Santa Fe PROVINCIA | Ministerio de Salud

INFORME TÉCNICO DE EVALUACIÓN DE TECNOLOGÍAS SANITARIAS:

Lanadelumab en angioedema hereditario

Autores:

Equipo de Asesoría Técnica en Evaluación de Tecnologías Sanitarias
Dirección Provincial de Calidad y Evaluación Sanitaria
Ministerio de Salud Pública de la Provincia de Santa Fe

Equipo de Asesoría Técnica:

Carlos González Malla – Lucas González – Santiago Torales

Director:

José Arturo Berardo

El presente informe es producto del trabajo interministerial de la Dirección Provincial de Calidad y Evaluación Sanitaria, dependiente de la Subsecretaría de Medicamentos y Tecnología Médica del Ministerio de Salud Pública y la Secretaría de Economía de la Salud dependiente del Ministerio de Economía de la Provincia de Santa Fe. Este informe surge de la Asesoría Técnica en Evaluación de Tecnologías Sanitaria. La misma tiene como objeto generar informes que relevan las evidencias a nivel nacional, regional e internacional respecto a la incorporación, forma de uso, modalidades de financiamiento y políticas de cobertura de las tecnologías sanitarias, para servir de insumos en la toma de decisión de los actores sanitarios en el ámbito de la provincia de Santa Fe. Para su elaboración se consideran criterios de eficacia, seguridad, eficiencia y equidad, evaluados bajo dimensiones éticas, médicas, económicas y sociales.

Conflictos de interés: No se presentaron.

Fecha de realización: Enero 2025
Fecha de publicación: Febrero 2025

Contacto: calidadyevaluacionsanitaria@santafe.gov.ar

RESUMEN EJECUTIVO

El angioedema hereditario es un trastorno genético, de herencia autosómica dominante, que se manifiesta con episodios recurrentes de edema en la piel y mucosas. Estos episodios pueden afectar cualquier parte del cuerpo, pero son especialmente peligrosos cuando involucran la orofaringe o laringe, ya que pueden obstruir las vías respiratorias y poner en riesgo la vida. El tratamiento incluye el manejo de las crisis agudas y la profilaxis. La profilaxis a largo plazo busca reducir la frecuencia, gravedad y duración de los ataques. Dentro de las medidas preventivas farmacológicas se enumeran los andrógenos atenuados y antifibrinolíticos. Entre las opciones se ha sumando lanadelumab como tratamiento preventivo a largo plazo.

En pacientes mayores de 12 años con AEH tipo I o II, evidencia proveniente de un solo ensayo clínico aleatorizado a diferentes dosis de lanadelumab y con escaso período de seguimiento mostró que su utilización, comparado con el uso de placebo, podría disminuir el número, severidad y duración de ataques. En pacientes menores de 12 años un estudio no aleatorizado con un escaso número de participantes y limitado seguimiento mostró resultados similares. La seguridad y eficacia frente a otras opciones disponibles no puede ser establecida debido a que no se encontraron estudios comparativos. Ninguno de los estudios encontrados evaluó mortalidad como desenlace. Evaluaciones económicas realizadas por diversos sistemas de salud concluyen que, al precio de venta sugerido en todos los casos, la intervención no es costo efectiva, siendo en todos los países relevados su cobertura condicionada a una reducción en el precio de adquisición (de 50-80% / amp 300 mg).

En este contexto de evidencias, si bien los resultados clínicos son robustos, de acuerdo al alto precio referido para el país se sugiere no dar cobertura a esta intervención. Esta recomendación podría hacerse condicional sólo en casos que cumplan condiciones clínicas específicas (niveles de bajos de proteína funcional, C4 bajo, pacientes > 12 años, certificación de > 2 ataques clínicamente significativos (severos a críticos) por semana durante 8 semanas a pesar de otros tratamientos preventivos (o los mismos están contraindicados o no se toleran).